

Näyttö hoidollisesta ja taloudellisesta arvosta on perusta lääkkeiden järkevälle käytölle. Järjestelmällisesti kerättyä ja puolueettomasti arvioitua näyttöä tarvitaan muun muassa lääkkeiden käyttöönottoon ja käyttöön liittyvässä päätöksenteossa.

Hoidollisen ja taloudellisen arvon arvioinnissa vertaillaan tietyn sairauden hoitoon tarkoitettuja lääkehoitoja keskenään. Arviointien tarkoitus on tiivistää ja arvioida tutkimusnäyttöä arvioinnin kohteena olevan lääkehoidon hyödyistä, haitoista, kustannuksista ja kustannusvaikuttavuudesta sen hoitovaihtoehtoihin verrattuna. Tarpeen mukaan arvioinnissa huomioidaan myös sosiaalisia, eettisiä ja juridisia vaikutuksia.

Arvioinnin kohteena on usein uusi kallis lääkehoito. Esimerkiksi erilaisten syöpien hoitoon on tullut viime vuosina useita uusia lääkkeitä. Vuonna 2013 sai myyntiluvan 12 uutta syövän hoitoon tarkoitettua lääkettä (**taulukko 1**, pdf

(/documents/721167/1562888/1\_16\_Taul1\_Vuonna\_2013\_myyntiluvan\_saaneet.pdf/6067f7aa-454a-49c1-ba46-5d2f216cd9de)).

Vuonna 2014 myyntilupa myönnettiin kahdeksalle ja vuonna 2015 kymmenelle uudelle syöpäläkkeelle.

## Kliiniset tutkimukset ja hoidon nykytilanne ovat arvioinnin perustana

Arvioinnissa kootaan taustatietoa arvioitavan lääkkeen ja vertailuhoidojen käytöstä, hoidon kohteena olevasta sairaudesta ja hoidon kohdeväestöstä Suomessa. Tätä tietoa voidaan hyödyntää esimerkiksi arvioitaessa lääkkeen taloudellisia vaikutuksia tai kliinisten kokeiden sovellettavuutta Suomeen. Erityisesti harvinaisissa sairauksissa tai tarkkaan rajatuissa kohdeväestöissä tällaista tietoa ei ole aina saatavilla.

Arvioinnissa huomioidaan kaikki hoidon merkitykselliset terveyshyödyt ja haitat. Erityisesti keskitytään kokonaiselossaoloaikaan ja terveyteen liittyvään elämänlaatuun sekä haittojen ilmaantumiseen. Syöpäläkkeiden osalta joudutaan usein tarkastelemaan vain elossaoloaikaa ennen taudin etenemistä, mikäli tieto hoidon vaikutuksista kokonaiselossaoloaikaan on keskeneräistä tai puuttuu. Lisäksi voidaan arvioida näyttöön liittyviä virhelähteitä sekä näytön laatua ja sovellettavuutta suomalaiseen kohdeväestöön ja hoitoympäristöön.

Lääkkeen hyötyjä ja haittoja koskevat arviot perustuvat kaikkiin arvioinnin tavoitteen kannalta olennaisiin tutkimuksiin. Usein uusista lääkkeistä on käyttöönottovaiheessa vain hyvin rajallisesti tietoa.

## Kustannusten huomioiminen on osa järkevää lääkehoitoa

Arvioinnin tavoitteesta riippuen arviointiin sisällytetään yleensä kustannus- tai budjettivaikutusanalyysi. Kustannusvaikuttavuuden arvioinnissa käytetään tyypillisesti inkrementaalista kustannusvaikuttavuussuhdetta (incremental cost-effectiveness ratio, ICER). ICER kertoo, kuinka paljon uudella hoidolla aikaansaatua lisähyöty-yksikkö (esim. laatu-painotettu elinvuosi) maksaa vaihtoehtoiseen hoitoon verrattuna. Budjettivaikutusanalyysissä arvioidaan hoidon kokonaiskustannuksia ja verrataan niitä hoitovaihtoehtojen kokonaiskustannuksiin.

Uudet syöpälääkkeet ovat yleensä erittäin kalliita. Tämän vuoksi olisi tärkeää ottaa kantaa siihen, onko uudella lääkkeellä saavutettu mahdollinen lisähyöty riittävä, kun se suhteutetaan lääkkeen käytöstä aiheutuviin lisäkustannuksiin. Esimerkiksi Isossa-Britanniassa NICE (National Institute for Health and Care Excellence) on ottanut kantaa useimpien **taulukossa 1** lueteltujen lääkkeiden käyttöön. Arviointien perusteella se on suositellut ainoastaan afatinibin, dabrafenibin, entsalutamidin ja radium-223-dikloridin käyttöä edellyttäen usein sopimukseen perustuvaa alennusta lääkkeen listahinnasta.

## Syöpälääkkeiden käyttöönotto ei odota Kela-korvausta

Avohoidossa ja vain sairaalassa käytettäviä lääkkeitä arvioidaan Suomessa eri tavalla. Avohoidossa käytävien lääkkeiden korvattavuutta ja tukkuhintaa käsitellään Lääkkeiden hintalautakunnassa. Käsittely perustuu myyntiluvanhaltijan hakemukseen. Sairaалalääkkeille ei ole keskitettyä tai yhtenäistä arviointiprosessia. Sairaaloissa tapahtuvan päätöksenteon tueksi Fimea onkin kehittämässä sairaалalääkkeiden nopeaa arviointiprosessia.

Perinteisesti ajatellaan, että uusien avohoidon lääkkeiden käyttöönotto on riippuvainen Kela-korvauksesta. Usein uudet syöpälääkkeet otetaan sairaaloissa käyttöön ennen mahdollisen Kela-korvauksen myöntämistä. Kun lääkkeelle myönnetään Kela-korvaus, potilaat hankkivat lääkkeensä itse apteekista ja lääkekustannukset siirtyvät sairaaloilta pääosin Kelan maksettavaksi. Näin on käynyt esimerkiksi melanooman hoitoon käytettävälle dabrafenibi-kapseleille (**taulukko 1**). Mikäli Kela-korvausta ei myönnetä, avohoidossa käytettävää lääkettä saatetaan silti toimittaa sairaalasta potilaalle. Näin on tehty esimerkiksi pomalidomidi-kapselien osalta (**taulukko 1**). Tällöin kustannus maksetaan sairaalan budjetista.

## Arviointitieto osaksi päätöksentekoa

Arviointitietoa hyödynnetään esimerkiksi lääkkeiden käyttöönottoon ja korvattavuuteen liittyvässä päätöksenteossa. Mikäli päätöksenteko ei ole näyttöön perustuvaa ja avointa, siihen todennäköisesti vaikuttavat monet muut tekijät, kuten yksittäisten asiantuntijoiden mielipiteet, potilaiden odotukset tai talouden tila. Tämä saattaa johtaa epätarkoituksenmukaiseen resurssien käyttöön ja lopulta käytettyihin resursseihin nähden vaatimattomiin terveyshyötyihin.

Tulevaisuudessa arviointitiedolla tulisikin olla entistä merkittävämpi rooli lääkehoitojen käyttöönottoon ja käyttöön liittyvässä päätöksenteossa.



**Piia Rannanheimo**

Proviisori

Lääketaloustieteilijä, Fimea



**Ulla Härkönen**

LL, TtM  
Tutkijalääkäri, Fimea



**Vesa Kiviniemi**

FL  
Tilastotieteilijä, Fimea

## LISÄÄ AIHEESTA

Lääkehoitoon sitoutumisella on merkittäviä yhteiskunnallisia vaikutuksia

([http://sic.fimea.fi/arkisto/2016/1\\_2016/jarkeva-laakehoito/laakehoitoon-sitoutumisella-on-merkittavia-yhteiskunnallisia-vaikutuksia](http://sic.fimea.fi/arkisto/2016/1_2016/jarkeva-laakehoito/laakehoitoon-sitoutumisella-on-merkittavia-yhteiskunnallisia-vaikutuksia))

Lääkehoitojen pitää tuottaa taloudellista terveyttä

([http://sic.fimea.fi/arkisto/2016/1\\_2016/jarkeva-laakehoito/laakehoitojen-pitaa-tuottaa-taloudellista-terveytta](http://sic.fimea.fi/arkisto/2016/1_2016/jarkeva-laakehoito/laakehoitojen-pitaa-tuottaa-taloudellista-terveytta))

## KIRJALLISUUTTA

Härkönen U, ym. Uudet sairaalalääkkeet arviointiin. Sic! 2015; 5(3): 46–7. ([http://sic.fimea.fi/3\\_2015/uudet\\_sairaalalaakkeet\\_arviointiin](http://sic.fimea.fi/3_2015/uudet_sairaalalaakkeet_arviointiin))

Kela. Rajoitetun korvattavuuden alkamisajat lääkeaineittain (siteerattu 15.1.2014). [www.kela.fi](http://www.kela.fi) ([http://www.kela.fi/laakkeet-ja-laakekorvaukset\\_rajoitettun-korvattavuuden-alkamisajat](http://www.kela.fi/laakkeet-ja-laakekorvaukset_rajoitettun-korvattavuuden-alkamisajat))

Kiviniemi V, ym. Lääkehoitojen vaikuttavuus – mitä se on? Sic! 2012; 2(1): 51–4.

NICE. Technology appraisal decisions (siteerattu 15.1.2016). [www.nice.org.uk](http://www.nice.org.uk) (<https://www.nice.org.uk/news/nice-statistics>)

NICE. List of technologies with approved Patient Access Schemes (siteerattu 15.1.2016). [www.nice.org.uk](http://www.nice.org.uk) (<https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/patient-access-schemes-liaison-unit/list-of-technologies-with-approved-patient-access-schemes>)

Peura P, ym. Mitä lääkehoitojen kustannusvaikuttavuus tarkoittaa? Sic! 2011; 1(2): 38–41.

*Taulukko 1. Vuonna 2013 myyntiluvan saaneet syöpälääkkeet, niiden tukkumyynti ja Kela-korvattavuus. Lähde: IMS Health -myyntitilastot kaudelta 1/2014–12/2015.*

Lääke	Lääke- muoto	Syöpä	Tukkumyynti <sup>1</sup> (milj. €) 2014	Sairaaloille myyty osuus (%) 2014	Tukkumyynti <sup>1</sup> (milj. €) 2015	Sairaaloille myyty osuus (%) 2015	Kela- korvaus	Korvattava alkaen
Afatinibi	tabl.	Keuhkosyöpä	0,03	6	0,06	0	+	6/2014
Aflibersepti	inf.	Paksu- ja peräsuolisyöpä	0,52	96	0,35	98	-	-
Bosutinibi	tabl.	Leukemia	0,03	5	0,09	54	+	12/2013
Dabrafenibi	kaps.	Melanooma	1,67	60	1,90	2	+	8/2014
Entsalutamidi	kaps.	Eturauhassyöpä	4,89	2	6,82	1	+	4/2014
Pertutsumabi	inf.	Rintasyöpä	1,95	100	3,53	100	-	-
Pomalidomidi	kaps.	Myelooma	1,10	100	1,51	100	-	-
Ponatinibi	tabl.	Leukemia	0	-	0,06	90	+	10/2015
Radium-223- dikloridi <sup>2</sup>	inj.	Eturauhassyöpä	-	-	-	-	-	-
Regorafenibi	tabl.	Paksu- ja peräsuolisyöpä	0,17	92	0,97	4	+	3/2015
Trastutsumabi- emtansiini	inf.	Rintasyöpä	2,43	100	3,41	100	-	-
Vismodegibi	kaps.	Tyvisolusyöpä	0,29	100	0,74	98	-	-

<sup>1</sup> Tukumyynti on ilmoitettu listahinnoin, ja mahdollisia sairaala-alennuksia ei ole huomioitu.

<sup>2</sup> Tukumyyntin tietoja ei ole saatavilla. Fimean tietojen mukaan valmistetta käytetään osassa Suomen sairaaloista.